

Vaincre

LE MAGAZINE DE L'ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE | #167



ACTUALITÉS

Projet associatif
2021-2026 : une
construction collective

p.06



RECHERCHE

Kafrio® : les étapes
franchies et les étapes
à venir

p.25



QUALITÉ DE VIE

L'allocation aux
parents d'enfants
handicapés

p.30

DOSSIER

La mucoviscidose face à la crise sanitaire



VAINCRELAMUCO.ORG

TRIMESTRIEL JANVIER-MARS 2021

**VAINCRE LA
MUCOVISCIDOSE**

14

DOSSIER

La mucoviscidose face à la crise sanitaire



RECHERCHE & MÉDICAL

- 24 Le colloque français des jeunes chercheurs en digital
- 25 Kaftrio® : les étapes franchies et les étapes à venir
- 26 Quel serait l'impact d'un accès retardé dans le temps à Trikafta™ ?
- 27 Nos félicitations à Manon Ruffin, jeune chercheuse
- 28 Données 2018 du Registre français de la mucoviscidose
- 29 Présentation de La Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR)

24



Vaincre magazine édité tous les trois mois par **Vaincre la Mucoviscidose** association reconnue d'utilité publique et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie | 181 rue de Tolbiac - 75013 Paris / Tél. : 01 40 78 91 91 | **Directeur de la publication** Pierre Foucaud | **Directeur général** Thierry Nouvel | **Directrice de la communication** Sandrine Jobbin - sjobbin@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 75 | **Rédactrice en chef** Elzie Obiang - eobiang@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 79 | **Ont participé à ce numéro** Adeline Gilis, Anna Ronayette, Anne-Sophie Duflos, Benjamin Trecherel, Corine Coquinos, Élisabeth Garaycochea, Floriane Lacour, Julie Toubas, Margot Nonte, Laure Brogliolo, Paola De Carli, Aude Rambaud, Romain Montariol, Sandrine Jobbin, Séverine Dusserre, Thierry Nouvel | **Comité de lecture** Jérôme Duriez, Thomas Graindorge, Christian Grenaudier, Sandrine Jobbin, Christine Pezel, Thierry Nouvel | **Numéro de Commission** paritaire 1223 H 84368 Numéro ISSN 1961-3210 | **Création, réalisation et impression** agence CIMAYA | **Crédits photos** : iStock.



ACTUALITÉS

- 04 Devenir partenaire national, l'exemple Newrest Wagons-Lits
- 05 Les différents niveaux de partenariat de Vaincre la Mucoviscidose
- 06 Projet associatif 2021-2026 : une construction collective
- 08 Stream Against Muco : une semaine de gaming & entertainment
- 09 9^{es} Entretiens de la mucoviscidose et Assemblée générale
- 09 Table ronde des territoires du 28 novembre 2020
- 10 Vaincre la Mucoviscidose sous le regard de la Cour des Comptes
- 12 Vendée Globe 2020 : bravo à notre parrain Maxime Sorel

30

QUALITÉ DE VIE

- 30 La défense des droits des patients durant la crise sanitaire
- 30 L'allocation aux parents d'enfants handicapés (APEH)
- 31 Examens et concours de l'enseignement scolaire : nouvelle procédure



Le souffle du don

PIERRE FOUCAUD,
Président de Vaincre la Mucoviscidose

La reine d'Angleterre avait qualifié l'année 1992, la pire de son règne, « d'annus horribilis ». Que dire de 2020 ? Pourtant, au mois de décembre, une donation d'un niveau exceptionnel a été faite à notre association. Elle nous donne l'occasion de nous interroger sur le sens et la valeur du « don ».

Trois jeunes entrepreneurs de Champagne-Ardenne, Dorothée, Éric et Maël, travaillant dans le secteur des éoliennes, ont fait le choix il y a 4 ans de cantonner une partie de leur activité dans une société qu'ils ont baptisé « Souffle d'espoir ». Leur pari était de pouvoir faire une donation des actions, lorsqu'elles auraient pris de la valeur, à trois associations œuvrant dans le domaine de la santé. La valeur de cette donation est au final de 1 623 000 € au profit de Vaincre la Mucoviscidose. Vous avez bien lu, une somme à 7 chiffres ! Qu'est-ce qui a pu être à l'origine d'une telle générosité ? D'abord la connaissance à titre privé de trois patientes atteintes de mucoviscidose, de leur vécu, de leur combat au quotidien, de leurs familles : Florence 36 ans, Marine 16 ans et Faustine 8 ans. Des rencontres fortes qui leur ont donné la volonté de réenchanter leur avenir et celui de tous leurs semblables. Mais aussi le besoin de donner du sens à leur activité professionnelle et servir ainsi de manière altruiste le bien commun. Le lien entre l'éolienne et le souffle était tout trouvé.

Ces trois bienfaiteurs, qui n'entendent pas être mis en avant, attendent naturellement de notre part une utilisation de ces fonds qui vienne booster des actions que nous n'aurions pu faire avec nos ressources courantes, allant dans le sens du mieux vivre, mieux vieillir avec la mucoviscidose. Ils aimeraient faire école et inciter d'autres responsables, d'autres entreprises à faire donation de leur vivant d'une partie de leur patrimoine acquis dans des secteurs économiques porteurs. D'une certaine façon, le développement des legs s'inspire de la même logique.

Aux termes d'une année 2020 bousculant tous nos projets, voilà donc aussi l'occasion de réfléchir à notre modèle économique, en pleine rédaction de notre projet associatif 2021-2026 au lendemain d'un Carrefour des Virades et des Générosités tonique et décapant ! La moitié de nos ressources provient des manifestations locales, Virades en premier lieu. Elles recèlent des forces extraordinaires : une animation territoriale festive et joyeuse, des milliers d'heures de bénévoles, des milliers de donateurs et participants, des occasions de contacts entre tous ces acteurs, ainsi qu'avec les patients et familles. Tout en préservant cet acquis, il faut encourager d'autres voies : le marketing direct classique et digital, les legs, assurances vie et donations, les dîners caritatifs, ainsi que l'exploration d'actions innovantes, comme celle des jeux en streaming testée en décembre 2020 avec « Stream Against Muco ».



Il n'y a pas de grands et de petits dons. Chacun fait en fonction de ses moyens. Ce sont aussi les petits ruisseaux qui font les grandes rivières.

Fédérer tous les acteurs du combat engagé doit nous conduire à renforcer nos liens avec La Pierre Le Bigaut, l'Association Grégory Lemarchal, l'AFM-Téléthon, l'opération Blanche pour Vaincre la Mucoviscidose... Et ne perdons pas de vue la solidarité nationale : les mécanismes fiscaux accordés par l'État français constituent un précieux effet de levier pour donner plus ! De notre côté, nous devons inciter, rassurer nos donateurs en leur garantissant une utilisation claire, motivante et efficace de leurs dons, plaçant, au centre de tout, nos patients et leurs familles. Et souvenons-nous qu'il n'y a pas de grands et de petits dons. Chacun fait en fonction de ses moyens. Ce sont aussi les petits ruisseaux qui font les grandes rivières.

Devenir partenaire national

L'EXEMPLE NEWREST WAGONS-LITS

Comment Newrest Wagons-Lits, partenaire de la Virade de Combs-la-Ville est devenu partenaire national en 3 ans ?

Béatrice Jouble, bénévole de l'association depuis 17 ans, travaille chez Newrest Wagons-Lits. En 2018, elle décide de parler de la Virade de Combs-la-Ville à Benoît Vignon, Directeur Général, qui est très à l'écoute de ses collaborateurs.

BÉATRICE COMMENT L'AVEZ-VOUS ABORDÉ ?

BJ : Je lui ai présenté la Virade et j'ai simplement demandé si Newrest Wagons-Lits pouvait s'impliquer d'une quelconque manière. Il a répondu favorablement et nous avons regardé ce que nous pouvions faire. Comme chaque année nous recherchons des collations pour l'ensemble des bénévoles le jour J, c'est tout naturellement que Newrest Wagons-Lits a choisi d'offrir un sandwich et une bouteille d'eau aux 100 bénévoles.

L'implication de Newrest Wagons-Lits dans la lutte contre la mucoviscidose a un bon écho au sein de l'entreprise. L'année suivante, le Directeur Général souhaite aller plus loin et demande à sa collaboratrice Cécile Rabotin de voir ce qu'il est possible de faire.

CÉCILE COMMENT AVEZ-VOUS RÉAGI ?

CR : J'ai été ravie de me voir confier cette mission, la cause me parlait. Ensemble on a réfléchi, et on s'est dit que ce serait fort de rassembler un maximum de salariés et de leur proposer de courir sur une Virade de l'espoir proche de chez eux. Le maillage national de l'association est génial car il nous permet de fédérer tous nos collaborateurs, qui sont essentiellement des commerciaux de bord sur les trains, donc implantés partout en France. Nous avons décidé de valoriser chaque kilomètre parcouru par un don de 5€ réalisé par l'entreprise. Nous avons pu verser 1 015€ à Vaincre la Mucoviscidose.

Mais l'histoire ne s'arrête pas là. Chei-Line Heng, responsable partenariat de Vaincre la Mucoviscidose, prend contact avec Cécile Rabotin.

POURQUOI UNE TELLE DÉMARCHÉ ?

CLH : Pour évoquer bien en amont un éventuel projet 2021 car Newrest Wagons-Lits aurait aimé remettre une plus grande somme à l'association et fédérer encore plus de salariés. J'ai alors présenté à Cécile l'application KM for Change, une application qui transforme les kilomètres parcourus en don réalisé par une entreprise mécène. Cécile a tout de suite adhéré. Fin août elle pensait débloquer un budget de 3 000€ pour cette 3^e année de partenariat et m'a demandé si c'était bien. Pour moi tout engagement d'une entreprise en fonction de ses possibilités est incroyable. Je lui ai simplement dit que le montant du don influe juste sur les contreparties que je pouvais débloquer. À savoir qu'un soutien financier de 10 000€ est le premier pallier pour accéder au statut de partenaire officiel de Vaincre la Mucoviscidose.

Deux jours après cette conversation, Cécile annonce que son nouveau Directeur Général, Eloi Courcoux, est emballé par le projet et donne son accord pour un budget de 10 000 € !

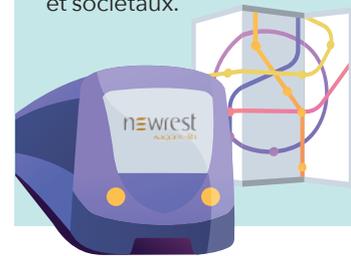
CÉCILE, COMMENT AVEZ-VOUS FAIT POUR CONVAINCRE VOTRE DIRECTION ?

CR : Je n'ai même pas eu à les convaincre. Newrest Wagons-Lits souhaite fédérer ses collaborateurs autour de projets forts, porteurs de valeurs de solidarité. Nous voulions participer plus massivement que l'an passé aux Virades de l'espoir mais le contexte sanitaire était un frein.

NEWREST WAGONS-LITS

Depuis 2013, Newrest Wagons-Lits (filiale du groupe toulousain Newrest) opère sur le marché de la restauration à bord des TGV et Intercités (SNCF).

Au quotidien, ce sont plus de 1 000 collaborateurs qui participent à son développement en proposant une gamme complète de prestations : voiture Bar et restauration à la place. La filiale développe son offre produit en intégrant pleinement les nouvelles tendances de consommation et ses engagements environnementaux et sociétaux.



Avec KM for Change, tout le monde pouvait se mobiliser sans rassemblement. Le projet a plu et quand j'ai expliqué que si nous atteignons 10 000€ de don, nous devenions partenaire officiel de l'association, il n'y a eu aucune hésitation. Nous sommes ravis de l'avoir fait car ce challenge interne a renforcé notre cohésion et notre esprit d'équipe. En seulement 10 jours l'objectif était atteint, plus de 100 collaborateurs ont parcouru 2 000 km pour la bonne cause.

BÉATRICE, À L'ANNONCE DU PARTENARIAT OFFICIEL QU'AVEZ-VOUS RESENTI ?

BJ : J'étais tellement heureuse ! Je m'investis beaucoup. Collecter 10 000€ grâce à mon entreprise est tellement gratifiant. Jamais je n'aurais imaginé qu'il était possible d'avoir un tel soutien. Le mot d'ordre c'est vraiment « OSEZ » ! J'ai osé demander à mon Directeur Général, et Cécile a osé parler d'un budget plus conséquent. Résultat : en démarrant par un don en nature, 3 ans plus tard, Newrest Wagons-Lits est devenu partenaire officiel de Vaincre la Mucoviscidose.

Vendée Globe 2020 :

BRAVO À NOTRE PARRAIN MAXIME SOREL



82
jours

14
heures

30
minutes

15
secondes

Coupant la ligne d'arrivée le 30 janvier à 04 heures, 50 minutes et 15 secondes au large des Sables d'Olonne, Maxime Sorel a réalisé un superbe exploit en bouclant, sur son bateau V&B - Mayenne, son premier Vendée Globe en 82 jours, 14 heures, 30 minutes et 15 secondes.

Réalisant un très beau parcours, Maxime a su relever jusqu'au bout de nombreux défis tout au long de sa course (passage du Cap Horn, fissure sur le pont, entre autres) en faisant preuve de courage, de force et de détermination, prouvant que rien n'est impossible !

« Merci Max pour ton courage, pour ton talent, pour cette 10^e place qui ont fait rêver tant de patients. Merci d'avoir porté notre logo tout autour du monde. Même les albatros savent désormais qu'il faut Vaincre la Mucoviscidose ! » Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose

Nous sommes très fiers de notre parrain et du message d'espoir qu'il a porté autour du monde pour tous les patients, leurs proches et Vaincre la Mucoviscidose. Petits et grands l'ont suivi attentivement depuis son départ le 9 novembre dernier, guettant chacune de ses interviews audios et vidéos. Tout au long de la course, sa force était la leur et inversement...

**Encore bravo et merci à notre Prince des Mers :
Maxime, tu as donné ton MAX !**



**Merci Max pour ton courage,
pour ton talent, pour cette 10^e place
qui ont fait rêver tant de patients.**

Pierre Foucaud

Président de Vaincre la Mucoviscidose





DOSSIER

La mucoviscidose face à la crise sanitaire

L'épidémie de Covid-19 a pris tout le monde de cours : pouvoirs publics, médecins, malades. La période n'est facile pour personne mais la communauté mucoviscidose accuse le coup avec des retombées d'ordre psychologiques, sociales, médicales, professionnelles et financières. Ce dossier témoigne de ces difficultés mais aussi de la formidable chaîne de solidarité dont bénéficient depuis le premier jour de cette crise, les personnes atteintes de mucoviscidose en France grâce aux soignants, aux associations ou encore aux proches.

La crise sanitaire dans laquelle la France est plongée depuis plusieurs mois, comme le reste du monde, est sans précédent. De mémoire de médecins et de patients, aucun événement n'est comparable. Le pays souffre économiquement, socialement, physiquement avec plus de 80 000 morts à la mi-février. Un an plus tôt, les Français observaient la situation chinoise de loin, effarés par ces mesures de confinement, ces hôpitaux construits à la hâte. Et puis la nouvelle est tombée, en janvier 2020, trois premiers cas sont déclarés en France, deux à Paris et un à Bordeaux. Dès lors, la course s'engage pour détecter chaque nouveau cas et éviter la propagation du virus. Les autorités sanitaires tentent d'organiser le dépistage et le suivi de ces cas, mais sont rapidement dépassées par leur nombre qui dépasse 8 000 par jour en mars avec des clusters dans plusieurs régions. Les polémiques fusent sur le manque de matériel de protection, de lits d'hôpitaux, sur l'incertitude des modes de transmission, sur l'efficacité des masques, et la France se met à l'arrêt à compter du 17 mars avec le premier confinement.



Au début j'étais stressé par l'épidémie, je faisais toutes les courses en drive et ne sortais pas pour autre chose.

Puis le confinement arrive. Beaucoup se sentent soulagés de ne plus avoir à sortir, de constater que tout le monde est désormais logé à la même enseigne. « Plus d'école, plus de travail en présentiel pour la majorité, plus de transports en commun, tout le monde était à la maison, c'était rassurant, permettant un bon contrôle de la situation », reconnaît Anne-Brigitte Lambert, psychologue au CRCM de Nantes. Mais si les comportements adoptés par les patients « mucoviscidose » ne sont pas tellement différents de ceux de la population générale pendant cette période, les mesures sont poussées plus loin, l'isolement est plus fort et beaucoup le vivent mal. « Il y avait du stress, de l'angoisse, chez les personnes qui contactaient l'association Vaincre la Mucoviscidose » confirme Anne-Sophie Duflos, infirmière, adjointe de direction du département médical. « Elles évoquaient la peur de la maladie, la difficulté de ne pas voir ses amis, l'inconnu de la situation à venir. Il y avait déjà beaucoup d'angoisses à l'échelle de la population générale, donc chez les patients et leur proches, c'était encore pire. Des familles craquaient physiquement et nerveusement, ne voyant plus personne et nous demandant quoi faire. Fallait-il prendre le risque de sortir pour faire ses courses, d'aller voir un conjoint? » « J'ai une fille de 17 ans et avais très peur qu'elle attrape le virus. Je lui ai demandé de ne pas sortir mais ça a été très mal vécu. Cette période a été très difficile avec des disputes, des cris, des portes qui claquent », se rappelle Florence, mère de deux enfants.

ISOLEMENT ET IMPACT PSYCHOLOGIQUE

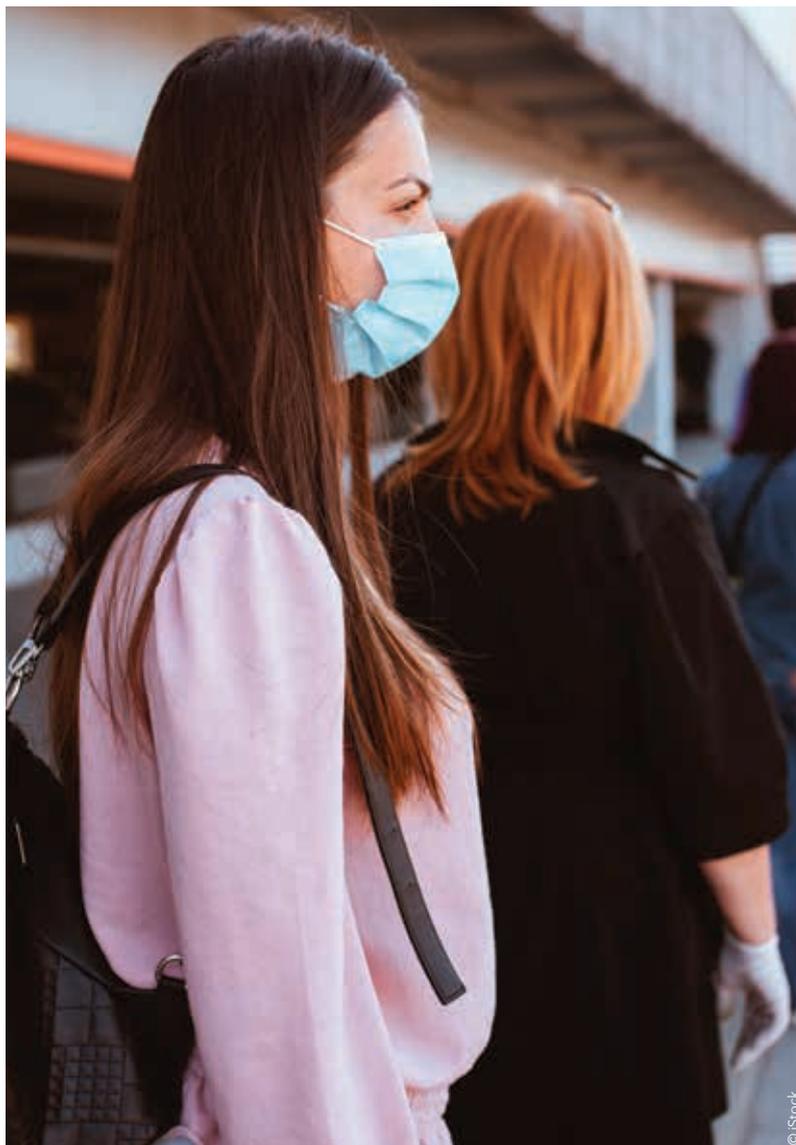
Dès le début de l'épidémie, la méconnaissance du virus et de son mode de propagation incite les personnes atteintes de mucoviscidose à la plus grande prudence. Le télétravail est instauré pour les salariés qui le peuvent et beaucoup restreignent rapidement leurs déplacements. « Avant même le confinement, certains ne sortaient presque plus et avaient déjà retiré leurs enfants de l'école », se rappelle Alexia Challan Belval, psychologue au CRCM de l'hôpital Trousseau à Paris. « Quand j'ai vu que la Covid touchait les poumons et qu'il y avait des morts, je suis devenue très inquiète et hésitais à sortir », confirme Floriane, patiente d'une trentaine d'années. « Au début j'étais stressé par l'épidémie, je faisais toutes les courses en drive et ne sortais pas pour autre chose », renchérit Damien, également atteint de mucoviscidose et employé dans la restauration.



Environ
15
psychologues
pour la plateforme
Psy-Mucovid

Le téléphone de l'association Vaincre la Mucoviscidose ne cesse de sonner. Rapidement, l'idée d'une plateforme d'écoute téléphonique germe et Psy-MuCovid voit le jour. L'objectif est de permettre aux patients et leurs proches de discuter avec des psychologues de façon anonyme. Dès avril, une quinzaine d'entre eux travaillant en CRCM et volontaires répondent aux manifestations d'anxiété et de souffrance liée à cette période de pandémie et de confinement. « Les personnes atteintes de mucoviscidose ont l'habitude de se protéger et de bien contrôler les risques qui les entourent. Là, compte tenu de la méconnaissance de l'infection au début, on pouvait s'attendre à des angoisses plus importantes, voire des conduites obsessionnelles exacerbées ou encore des crises de panique », explique Anne-Brigitte Lambert.

Les appels reçus traduisent en effet une angoisse majeure « mais ils provenaient de personnes probablement plus anxieuses que d'autres cherchant à se réassurer, prévient-elle. Et au final nous avons constaté un seul cas de dépression avérée chez ces dernières ». En revanche les comportements inappropriés sont légions avec des malades interdisant à leurs proches de sortir de peur d'une contamination par l'air, refusant d'aller faire les courses mais paniqués à l'idée de rencontrer le livreur ou encore se restreignant sur le plan alimentaire en raison de la limitation extrême de leurs déplacements. Cela a entraîné une perte de poids significative chez certains d'entre eux. De même que des personnes greffées, soucieuses de ne pas grossir à cause de leur traitement, ont fait du sport à outrance et ont aussi, au final, perdu du poids. « Ces situations ne sont pas tenables. Elles mènent à l'épuisement psychique, avec de surcroît un risque de déclin de la fonction respiratoire », clarifie Anne-Brigitte Lambert.



Pour une fois, la population générale a appliqué les gestes barrières que les personnes atteintes de mucoviscidose appliquent toute l'année. Beaucoup ont exprimé une certaine satisfaction à voir les autres mieux comprendre leur situation et leur vécu.

Alexia Challan Belval,
psychologue au CRCM de l'hôpital Trousseau à Paris

Le déconfinement n'a pas apporté tellement de bienfait non plus. Il en a même fragilisé davantage certains qui n'osaient pas retrouver une forme de liberté, rendant leur maladie plus visible vis-à-vis de ceux qui renouaient avec une vie presque normale. En effet, la peur du virus est toujours là et la menace semble d'autant plus grande que les autres se remettent à sortir,

en respectant parfois mal les gestes barrières.

« Les patients ont eu du mal à ressortir et certains ne l'ont toujours pas fait en dehors de déplacements indispensables, indique Alexia Challan Belval. Des familles très anxieuses n'osaient pas remettre leurs enfants à l'école alors même que la Société Française de Pédiatrie recommandait de le faire et que nous les y encourageons. Les écoles étaient elles-mêmes parfois frileuses ». Et puis la possibilité de revoir les autres s'est offerte, confrontant de nouveau les patients au fait que la famille, les amis peuvent représenter un danger. Ce nouveau contexte a généré des situations parfois compliquées au sein des foyers en raison d'un sentiment de vulnérabilité accru et d'une certaine culpabilité des uns envers les autres. « C'est compliqué quand une mère malade craint que ses enfants ou que son conjoint ne rapportent le virus à la maison. Elle impose alors des restrictions aux autres membres de la famille qui peuvent être mal vécues : ne pas faire les magasins ou ne pas voir des amis par exemple » illustre Anne-Brigitte Lambert « Aujourd'hui encore, si je me déplace c'est uniquement pour la pharmacie et je vais faire des courses aux heures creuses pour croiser moins de monde. En dehors de cela, je ne sors pas. Du coup c'est lassant, toujours le même trajet, le même rythme. Ma conjointe elle, travaille dans un commerce et voit du monde. C'est assez anxiogène pour nous, l'idée qu'elle puisse être contaminée », témoigne Damien. Cette situation d'isolement s'éternise pour les personnes vulnérables et devient difficile à accepter. Il y a désormais un sentiment d'exclusion pour certains quant à leur impossibilité à reprendre une vie comme les autres et à devoir continuer à se protéger en permanence. « Ça fait un an que je n'ai embrassé personne. C'est dur », confie Damien.

L'ÉTUDE MUCONFIN

EN BREF



1

questionnaire en ligne disponible sur

<https://www.vaincrelamuco.org>

à destination des patients de plus de

14 ans

explore plusieurs dimensions :



l'accès aux soins



l'humeur



la prise des traitements



la crainte de la Covid-19



Parmi les

750

participants

16

volontaires ont été sélectionnés pour des entretiens en direct avec des chercheurs en sciences humaines



DES DIFFICULTÉS CONFIRMÉES PAR L'ÉTUDE MUCONFIN

Lancée lors du premier confinement, l'enquête MUCONFIN soutenue par l'association Vaincre la Mucoviscidose et coordonnée par le Pr. Ralph Epaud responsable du CRCM de Créteil, est destinée à explorer l'impact de l'épidémie et du confinement sur la santé psychologique et physique des personnes atteintes de mucoviscidose. Un questionnaire en ligne disponible sur le site de l'association et différents réseaux sociaux entre mai et juin dernier permettait d'explorer plusieurs dimensions chez les patients de plus de 14 ans : l'accès aux soins, l'humeur (anxiété et dépression notamment), la consommation d'alcool de tabac et/ou de psychotropes, la prise des traitements, la crainte et la connaissance du coronavirus, les contraintes liées au confinement ou encore l'évolution de l'état de santé. Parmi les 750 personnes participantes, 16 volontaires ont été sélectionnés, issus de différentes catégories sociales et de différentes tranches d'âges, pour des entretiens en direct avec des chercheurs en sciences humaines de l'université de Créteil. Il ressort de ces travaux, qu'au cours de la première vague, les participants présentaient des niveaux d'anxiété et de dépression plus élevés, en particulier chez les patients plus âgés (25 ans et plus) avec notamment une prise de psychotropes plus importante dans ce groupe. Les participants se plaignaient par ailleurs d'avoir du mal à trouver des informations fiables et devaient s'en remettre tout à fait à leur médecin qui lui-même n'avait pas toutes les réponses. Certains sont restés longtemps dans le flou n'osant pas sortir alors même que la fin du confinement avait été annoncé. En revanche, les soins se sont bien poursuivis pour l'ensemble de la cohorte avec des solutions alternatives comme du distanciel parfois proposé : consultations, hospitalisations ou encore cures antibiotiques ont pu être effectuées dans les temps. En revanche, la kinésithérapie a été interrompue pour la majorité des répondants à l'initiative du praticien ou des patients. Les consultations ont été remplacées par des séances d'auto-drainage ou dans de rares cas par des télésoins. L'étude révèle également des différences socio-économiques avec des conditions plus favorables à l'activité physique pour les catégories moyennes et supérieures (grands espaces, jardins...) et au contraire un abandon progressif de celle-ci parmi les personnes moins favorisées si elles n'étaient pas « coachées » par un spécialiste. De nouveaux entretiens étaient prévus à la fin du deuxième confinement pour suivre l'évolution des perceptions et du vécu des malades pendant cette longue épidémie.



LA DOUBLE PEINE PROFESSIONNELLE

De nombreux foyers ont été touchés de plein fouet par les difficultés professionnelles et économiques. À l'image de Damien, employé dans la restauration. « Tout a été stoppé pour moi avec l'arrivée de la Covid-19, soupire-t-il. Après un congé maladie de deux mois qui a entraîné une nette diminution de mes revenus, je suis passé en chômage partiel et n'ai jamais pu reprendre le travail y compris cet été. Je rêve d'y retourner mais il est impossible de reprendre dans de bonnes conditions de sécurité sanitaire ». Du coup, il réfléchit à une reconversion. Pour Floriane, le confinement a été un coup de massue. « Mon mari venait de signer un bail pour ouvrir un commerce. On se retrouvait à devoir payer des charges sans aucun revenu ». Rapidement, la famille est exsangue financièrement et demande une aide de l'État qui lui est octroyée puis... réclamée en remboursement quelques semaines plus tard après l'étude des pièces administratives. « Nous avons déjà dépensé l'argent et n'avions pas de ressources. C'est alors qu'un ami m'a recommandé d'appeler Vaincre la Mucoviscidose pour demander conseil ».



Après un congé maladie de deux mois qui a entraîné une nette diminution de mes revenus, je suis passé en chômage partiel et n'ai jamais pu reprendre le travail y compris cet été.

LA RECHERCHE CLINIQUE A ELLE AUSSI PÂTI DE CETTE SITUATION

La recherche fondamentale a connu un fort ralentissement pendant le confinement en raison de la fermeture de laboratoires et de la suspension de travaux en cours. La recherche clinique a elle aussi été entravée. Cette recherche consiste à évaluer des traitements, des appareils médicaux, comparer des modes de prise en charge ou encore évaluer l'impact de la maladie sur la vie des patients. C'est elle qui permet aux médicaments innovants d'arriver sur le marché s'ils sont efficaces et correctement tolérés. Rien qu'en 2020, Florence Valentin, un des neuf référents de la plateforme nationale de recherche clinique (PNRC) dénombrait une vingtaine d'études promues par l'industrie pharmaceutique, d'envergure internationale, en cours dans la mucoviscidose. Or, ces études nécessitent des visites fréquentes des patients et souvent, des examens complémentaires. Comment les CRCM ont donc fait alors qu'ils devaient fermer et annuler ces visites ? « Le confinement a exigé une très grande logistique afin de poursuivre un certain nombre d'essais en cours. Nous avons mis en place des téléconsultations par vidéo ou téléphone mais cela nous a privé des auscultations, examens de type spirométrie, électrocardiogramme, ou encore prélèvements sanguins requis dans certains protocoles. En outre, les mesures de poids et de taille sont très standardisées à l'hôpital. À distance, c'est moins fiable et peu satisfaisant dans le cadre d'une étude clinique », regrette-t-elle.

« Quand il s'agit d'évaluer un nouveau médicament, l'interruption du suivi de plusieurs patients a un impact majeur et peut menacer l'essai même, alors que l'arrivée de nouveaux traitements est en jeu. Pour cette raison, les laboratoires et nous-mêmes avons tout fait pour que cela n'arrive pas malgré ce contexte très difficile. Toutes les formalités, prescriptions, livraisons des médicaments se faisaient à distance et pour les prélèvements, des infirmières se sont rendues au domicile des patients. Au final, près de 90 patients inclus dans des essais

évaluant des nouvelles thérapies de la protéine CFTR ont pu poursuivre leur traitement. Nous y sommes parvenus mais quel travail colossal et quelle organisation ! » indique Florence Valentin. Quant aux essais institutionnels financés par le plus souvent par des hôpitaux, plusieurs ont été suspendus pendant le confinement et ceux qui devaient démarrer pendant cette période ont été reportés. L'un deux par exemple était destiné à effectuer des prélèvements avant l'initiation d'une thérapie de la protéine CFTR pour comparer le profil biologique des patients avant et après traitement. « Ces prélèvements n'ont pas pu avoir lieu et les promoteurs de l'étude n'auront malheureusement pas ces données, ce qui va réduire le nombre de patients inclus dans l'étude. On peut dire que pendant cette période il y a eu un impact sur l'avancement des études cliniques, mais heureusement pas de perte de chance pour les patients », conclut-elle. D'un autre côté, au cours de cette période agitée, la Haute Autorité de Santé a accordé à la trithérapie Kaftrio le statut de médicament innovant en un temps record suite à l'autorisation de sa mise sur le marché en Europe. Une étape clé pour ce médicament qui deviendra réellement accessible quand son prix aura été fixé en France, espérons-le rapidement.

La crise a donc entraîné des bouleversements pour tous. Elle est dure, elle est longue mais elle prendra fin. Alors, il sera temps de tirer toutes les conclusions sur la façon dont chacun a su gérer cette période, s'adapter, rebondir, afin de n'en retenir que le meilleur. Beaucoup de patients ont découvert qu'ils pouvaient se faire confiance en cas de besoin pour gérer au mieux leur maladie. D'autres ont découvert les vertus du télétravail qui pourrait sortir gagnant de cette période, épargnant la fatigue des transports et offrant plus de souplesse pour les traitements. La tolérance vis-à-vis du port du masque et des mesures barrières connaîtra probablement un bond un avant, améliorant le vécu de ceux qui y sont contraints en temps ordinaires. L'hygiène publique pourrait, elle aussi, rentrer enfin dans les mœurs, profitant aux plus vulnérables. Il y a de nombreuses raisons d'espérer. À n'en pas douter, des temps meilleurs sont à venir.

ADAPTER LES MÉTHODES DE COLLECTES POUR VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Cette crise sanitaire a aussi eu un impact majeur sur les ressources de Vaincre la Mucoviscidose.

Pour mémoire, elle fonctionne à :



avec des fonds privés dont



d'événements organisés pendant l'année.

Or, l'épidémie a évidemment mis à mal tout ce qui était présentiel.

Les Virades de l'espoir



Les Green de l'espoir



Mais aussi toutes les initiatives menées localement par des bénévoles ou des associations partenaires.



Entre l'épidémie de Covid-19, mais aussi le risque d'attentat terroriste ou encore les aléas de la météo, nous prenons conscience de l'importance de diversifier davantage nos sources de revenus notamment grâce aux outils digitaux.

LAURE BROGLIOLO, directrice du développement des ressources de l'association.



Fin décembre l'association a organisé pour la première fois SAM, Stream Against Muco, un événement de collecte sur la plateforme de streaming **twitch.tv** qui a permis de récolter

51 043 €

Kaftrio® : les étapes franchies

ET LES ÉTAPES À VENIR

Kaftrio® dont la commercialisation en France est très attendue vient de franchir une étape importante dans le processus obligatoire d'évaluation par les instances nationales avant une disponibilité du traitement dans les pharmacies.

La **trithérapie** (ivacaftor, tézacaftor, elexacaftor) du laboratoire Vertex Pharmaceuticals, appelé Kaftrio®, est porteuse d'espoir depuis juin 2019. Pour rappel le laboratoire Vertex pharmaceuticals avait lancé en 2018 deux programmes de phase 3 pour l'évaluation en parallèle de 2 trithérapies et c'est finalement l'association ivacaftor/tézacaftor/ elexacaftor qui a démontré les meilleurs résultats d'efficacité et de tolérance et qui a ensuite fait l'objet d'une demande de mise sur le marché (AMM) aux États-Unis et en Europe.

L'essai de phase 3 de Kaftrio® a démontré chez des patients de 12 ans et plus **homozygotes** (F508del/F508del) ou **hétérozygotes** (F508del/mutation fonction minimale¹) une efficacité incontestable sur les fonctions respiratoires mais également au niveau la valeur du test de la sueur² et le nombre d'exacerbations.

Les résultats de cet essai publiés en mai 2019 sont particulièrement importants pour les patients hétérozygotes porteurs d'une mutation minimale (mutation dite « à fonction minimale », la protéine CFTR est produite dans la cellule, mais elle est très peu ou non fonctionnelle. On parle alors d'activité minimale associée à une mutation F508del) qui - jusqu'à présent - ne bénéficient pas d'une solution thérapeutique ciblant leurs mutations. Ces résultats encourageants ont permis la mise en place, en France, d'un accès précoce à un nombre restreint de patients selon la gravité de leur état de santé. Il s'agit de l'ATU³ nominative qui a débuté en décembre 2019. À ce jour, plus de 400 patients bénéficient de ce traitement et ont vu leur état de santé s'améliorer.

Grâce à des procédures accélérées, ce nouveau traitement a eu une autorisation de mise sur le marché (AMM) aux États-Unis en octobre 2019 et en Europe en août 2020. Depuis, en France et toujours *via* un process accéléré, une des deux dernières étapes essentielles (avant la commercialisation) vient d'être franchie. Il s'agit de l'évaluation par la Commission de Transparence (CT) de la Haute Autorité de Santé (HAS).

Le dossier solide que Vaincre la Mucoviscidose a initié et construit en partie grâce aux témoignages des patients et parents a contribué de façon significative à l'évaluation favorable faite par la HAS. Elle lui a attribué à Kaftrio® une amélioration du service médical rendu (ASMR) d'une valeur de 2 (importante). C'est la 2^e fois, dans l'histoire du développement d'un traitement contre la mucoviscidose prescrit en CRCM que cela se produit. Kalydeco⁴ est le premier à avoir reçu une telle évaluation. Maintenant, l'ultime étape de fixation du prix du médicament par le Comité économique des produits de santé (CEPS) et sa prise en charge par la sécurité sociale, va commencer.

L'urgence aujourd'hui est de rendre Kaftrio® accessible au plus grand nombre ! À ce jour, cet accès a été limité à ceux dont l'état de santé est critique. Or, plus de 3 000 malades non greffés de plus de 12 ans pourraient y prétendre dès sa mise sur le marché français. Faudra-t-il donc attendre que leur état de santé se dégrade fortement pour que tous y accèdent, alors que le médicament est déjà disponible en Allemagne, en Grande Bretagne, en Irlande, au Danemark, en Slovaquie, en Suisse, en Finlande ?

Vaincre la Mucoviscidose est à la manœuvre, fortement mobilisée car le rapport au temps des patients ne peut être celui de la gestion administrative d'un dossier. Nous avons été auditionnés par le CEPS, avons pu être entendus par le laboratoire Vertex, avons sollicité un rendez-vous auprès du Premier Ministre et du ministre de la santé. Les négociations engagées doivent aboutir rapidement. Nous avons associé à nos démarches l'association Grégory Lemarchal : ensemble nous sommes plus forts !



Plus de
30 000
malades non greffés pourraient y prétendre dès sa mise sur le marché français

LEXIQUE

Trithérapie

Combinaison de trois principes actifs agissant différemment.

Homozygotes

Cellule ou individu qui possède deux gènes identiques sur chaque chromosome de la même paire.

Hétérozygotes

Cellule ou individu qui possède deux gènes différents (récessif et dominant) sur chaque chromosome de la même paire.



POUR EN SAVOIR PLUS : <https://www.vaincrelamuco.org>

¹ Mutations F508del ou d'une mutation dite « à fonction minimale » : la protéine CFTR est produite dans la cellule, mais elle est non fonctionnelle ou très peu. On parle alors d'activité minimale) associée à une mutation F508del. ² Le test de la sueur est un test biologique qui permet de confirmer ou non si une personne est atteinte de mucoviscidose. Ce test fait partie des examens et tests de diagnostic de la maladie. Le test de la sueur mesure la quantité d'ions chlorure dans la sueur. C'est un test rapide, indolore et le taux en chlore est anormalement élevé dans le cadre de la mucoviscidose. ³ Autorisation Temporaire d'Utilisation.

⁴ KALYDECO (ivacaftor) est un traitement de fond de la mucoviscidose qui doit être prescrit d'emblée aux patients avec mucoviscidose âgés d'au moins 6 mois à 12 mois et pesant de 5 kg à moins de 25 kg, porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène CFTR suivantes : G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R.



Quel serait l'impact d'un accès retardé

DANS LE TEMPS À L'ELEXACAFTOR / TEZACAFTOR / IVACAFTOR (TRIKAFTA™)
POUR LES PERSONNES ATTEINTES DE MUCOVISCIDOSE ?

Une étude projective sur les effets d'un accès retardé à Kafrio®, dénommé Trikafta™ aux États-Unis, a été menée par une équipe en se basant sur les données du registre canadien de la mucoviscidose pour répondre aux questions suivantes : dans l'avenir proche, quel sera l'impact du Trikafta™ sur les besoins en soins de santé des personnes atteintes de mucoviscidose ? Si Trikafta™ était disponible maintenant, combien d'hospitalisations et de décès pourraient être évités d'ici 2030 ? Que se passera-t-il s'il y a un retard dans l'approbation de Trikafta™ (pour mémoire, les patients canadiens n'ont toujours pas accès au Trikafta™, alors que leurs voisins américains en disposent depuis octobre 2019 ; une situation qui en rappelle bien d'autres en Europe !) ?

Plus de 90% des personnes atteintes de mucoviscidose pourraient bénéficier de Trikafta™ en Amérique du Nord, et cette nouvelle thérapie pourrait changer profondément les caractéristiques et les besoins en santé des personnes atteintes de mucoviscidose. Prévoir l'impact de Trikafta™ pour les personnes vivant avec la mucoviscidose peut permettre de mieux comprendre leurs besoins à long terme et d'anticiper la demande de futurs services et ressources de soins de santé.

Dans cette étude, une technique appelée microsimulation pour prédire ce qui pourrait arriver aux Canadiens atteints de mucoviscidose en 2030 a été utilisée.

Les résultats montrent que l'introduction précoce de Trikafta™ entraînerait une diminution de 60% du nombre de personnes souffrant d'atteintes pulmonaires sévères, une augmentation de 18% du nombre de



60%
de diminution
de personnes
souffrant
d'atteintes
pulmonaires
sévères

18%
d'augmentation
de personnes
souffrant
d'atteintes
pulmonaires
légères

personnes avec atteintes pulmonaires légères, engendrant ainsi, une diminution de 19% du nombre d'hospitalisations ou de cures par intraveineuse à domicile pour cause d'infections pulmonaires d'ici à 2030, par rapport au scénario où le médicament serait disponible en 2025. Si l'accès à Trikafta™ est retardé, ces améliorations de l'état de santé des malades seront considérablement réduites sur tous les plans et notamment sur leur qualité de vie. Par conséquent, un accès retardé à ce médicament efficace se traduirait par une véritable perte de chance pour les patients et pourrait éviter des greffes pulmonaires et des décès. Un argument de plus pour accélérer sa commercialisation en France.

Cette étude fournit un résumé de l'impact probable des nouvelles thérapies par rapport aux tendances actuelles.



POUR ACCÉDER À L'ÉTUDE COMPLÈTE :
<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/32855088/>

Données 2018 du Registre français de la mucoviscidose :

UNE ANNÉE QUI FERA DATE !

L'association a publié ce 3 décembre 2020 les données 2018 du Registre français de la Mucoviscidose. Le Registre, une « mine » d'informations au service de la stratégie associative et de la filière Muco-CFTR.

Géré par Vaincre la Mucoviscidose, le Registre français de la mucoviscidose n'existerait pas sans le concours des 47 centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM). Il constitue une mine d'informations pour la communauté de chercheurs et de soignants, tant au sein de la filière Muco-CFTR qu'au sein des hôpitaux qui collectent les données des patients. Les nombreuses études réalisées à partir des données ainsi produites permettent, entre autres, d'explorer les nouvelles voies thérapeutiques en cours ou à venir. Vaincre la Mucoviscidose incite ainsi chaque année toute la communauté scientifique et médicale à faire parler le Registre et à l'exploiter.

LES PRINCIPAUX ENSEIGNEMENTS DES DONNÉES 2018

Le nombre de patients recensés dans le Registre est de **7 180**



Soit une progression de

1,5%

grâce à l'augmentation de la population adulte, actuellement de 4 060 (+5%).



La santé des patients se stabilise mais demeure précaire. De 2008 à 2018, le VEMS médian a augmenté en moyenne de

+11,7%

UNE POPULATION JEUNE

mais qui continue de vieillir, et c'est une bonne nouvelle !

En **2018**
l'âge moyen est de **22,5 ans**

+6 mois

comme chaque année en moyenne depuis 2008.



Une vie sociale qui poursuit sa quête de l'ordinaire. Si les enfants accèdent depuis plusieurs années quasiment tous à une scolarisation ordinaire, le taux de patients adultes ayant une activité professionnelle progresse :



POUR LES HOMMES ¹

POUR LES FEMMES ²

VIVENT EN COUPLE

¹ Contre 46,5% en 2017. ² Contre 39,1% en 2017.

En 2019, le nombre de patients ayant bénéficié d'une greffe est de 76, soit une baisse de 22 % par rapport à 2017.



886³ patients vivent avec une greffe soit

12% de la population des patients atteints de mucoviscidose.

³ + 2,4% par rapport à 2017.



Présentation de La Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR)

La Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR) est un projet du Plan National Maladies Rares 2, financé par le ministère de la Santé. L'Assistance Publique des Hôpitaux de Paris (AP-HP) en assure la mise en œuvre. Il s'agit d'une base de données qui vise à recenser l'ensemble des personnes touchées par une maladie rare, via les centres de référence et de compétence. C'est un défi de taille, sachant qu'il existe environ 7 000 maladies rares touchant plus de 3 millions de personnes.

Plusieurs maladies rares disposent déjà d'une base de données gérées par différents organismes, à l'instar du Registre français de la mucoviscidose. Mais la grande majorité n'en possèdent pas. La BNDMR collecte un nombre plus limité de données, mais de façon homogène, quelle que soit la maladie. Cette base de données nationale a pour but de générer des indicateurs de santé publique, de surveiller l'évolution de la prise en charge et de l'état de santé des patients, mais aussi d'améliorer les connaissances épidémiologiques des maladies rares en France. C'est un outil qui a également pour vocation de faciliter la mise en place d'études au niveau national afin de répondre à des questions précises de recherche.

Les centres saisissent les informations nominatives des patients dans une application appelée BaMaRa, les données sont ensuite rendues anonymes avant d'être envoyées de manière sécurisée dans la BNDMR. Certains hôpitaux se sont dotés d'une application connectée à leur propre système d'information, afin de réduire le temps de saisie par les professionnels de santé. Il est prévu à terme de croiser les données de la BNDMR avec celles issues de bases médico-administratives (hospitalières, CNAM-TS, etc.). Ce recueil est obligatoire car il sert aux centres pour compléter leurs rapports d'activité annuels transmis aux pouvoirs publics. BaMaRa offre aussi la possibilité aux centres de suivre en direct leur activité, au sein d'un espace personnel.



70 000

maladies
rares touchant
plus de

3 M

de personnes

La défense des droits des patients

DURANT LA CRISE SANITAIRE

Depuis le début de la crise sanitaire, l'association s'est mobilisée auprès des pouvoirs publics pour que les patients et leurs proches qui ne pouvaient pas télétravailler puissent bénéficier de dispositifs dérogatoires d'absence.

À partir du mois de mars 2020, les personnes atteintes de mucoviscidose et leurs proches ont ainsi pu bénéficier d'arrêt maladie dérogatoire puis du chômage partiel ou d'autorisations spéciales d'absence. Malheureusement le décret du 29 août 2020 est venu remettre tout en cause en excluant la mucoviscidose, comme bien d'autres « comorbidités », de la liste des pathologies éligibles aux dispositifs dérogatoires d'absence.

Vaincre la Mucoviscidose a alors réagi immédiatement en adressant un courrier au ministre des Solidarités et de la Santé puis au Premier Ministre afin de leur demander de modifier le décret pour réintroduire les personnes atteintes de mucoviscidose sur la liste des personnes vulnérables susceptibles de développer une forme sévère de Covid-19 et de bénéficier du chômage partiel. Devant la réponse négative du Ministère et en lien avec le collectif des associations réunies au sein de France Assos Santé qui est l'organisation de référence pour représenter les patients et les usagers du système de santé et défendre leurs intérêts, Vaincre la Mucoviscidose a signé une tribune dans Le Parisien le 4 octobre 2020 appelant le gouvernement à réviser le décret afin de permettre aux personnes les plus vulnérables et non éligibles au télétravail de se protéger.

Plusieurs associations ont ensuite saisi le Conseil d'État qui a suspendu le décret du 29 août permettant aux personnes atteintes de mucoviscidose de retrouver le bénéfice du chômage partiel au titre de leur statut de personne vulnérable.

Par ailleurs le 10 novembre dernier un nouveau décret a introduit une nouvelle condition pour que les salariés vulnérables puissent bénéficier du chômage partiel. Désormais si le télétravail n'est pas possible les salariés doivent revenir travailler en présentiel dès lors que des conditions de sécurité renforcées ont été mises en place au sein de l'entreprise. Ce nouveau décret constitue un recul des droits inacceptable pour les personnes vulnérables. Plusieurs actions ont d'ailleurs été engagées devant le Conseil d'État.

L'association reste mobilisée aux côtés des patients sur ces questions et informe régulièrement de l'avancée de la situation.

POUR TOUTE QUESTION

Vous pouvez contacter notre chargé de vie professionnelle Romain Montariol

 01 40 78 91 83



L'allocation aux parents d'enfants handicapés

DANS LA FONCTION PUBLIQUE (APEH)

Dans le cadre de l'action sociale interministérielle, le ministère chargé de la fonction publique a créé, il y a plusieurs années, une aide financière versée mensuellement pour les agents de la fonction publique ayant un enfant handicapé âgé de moins de 20 ans.

Cette aide, attribuée aux agents de la Fonction Publique parents d'un enfant en situation de handicap, est versée sous conditions :

- Être parent d'un enfant âgé de moins de 20 ans dont le handicap ouvre droit à l'allocation d'éducation de l'enfant handicapé (AEEH). La perte de l'AEEH entraîne la perte de l'APEH.
- L'un des deux parents doit être agent de la fonction publique (contractuel, stagiaire, fonctionnaire).
- L'APEH n'est pas cumulable avec la prestation de compensation du handicap (PCH).

L'allocation, versée mensuellement, est de 165 euros par mois, pour l'année 2020. Son montant est révisé chaque année. Aucune condition de ressources des parents n'est requise pour l'octroi de cette aide financière. Dans le cadre d'un versement à un agent public employé à temps partiel, la prestation est accordée sans aucune réduction de son montant. La demande doit être déposée auprès du service des ressources humaines.

**VAINCRE LA
MUCOVISCIDOSE**

27^e édition **LE
GREEN DE
L'ESPOIR**

MARS > OCTOBRE 2021

90 compétitions
dans toute la France

JOUEZ POUR
VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE

Toutes les dates sur greendespoir.org



CLARINS

Dior

ffgolf[®]
Fédération Française de Golf

FOOTJOY

KENZO
PARFUMS

Kiwanis

open
WE EMPOWER
YOUR DIGITAL WORLD

RéseauTC France

SOCIETE
GENERALE

Titleist

CHAMPAGNE
VEUVE CHEURLIN
CELLES SUR OURCE